



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/307451/2012
EMEA/H/C/000435

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Zavesca

miglustat

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Zavesca. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie lieku na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Zavesca.

Čo je liek Zavesca ?

Zavesca je liek, ktorý obsahuje účinnú látku miglustat. Je dostupný vo forme kapsúl (100 mg).

Na čo sa liek Zavesca používa ?

Liek Zavesca sa používa na liečbu dvoch dedičných chorôb, ktoré majú vplyv na to, ako telo zaobchádza s tukmi. Obe choroby spôsobujú hromadenie tukových látok nazývaných glykosfingolipidy v tele. Liek Zavesca sa používa na liečbu týchto pacientov:

- dospelých (vo veku 18 rokov a starších) s miernou až stredne závažnou Gaucherovou chorobou typu 1. Pacienti s touto chorobou majú nedostatok enzýmu nazývaného glukocerebrosidáza, čo spôsobuje hromadenie glykosfingolipidu nazývaného glukozylceramid v rôznych častiach tela, napríklad v slezine, pečeni a kostiach. Liek Zavesca sa používa u pacientov, ktorí nemôžu dostávať bežnú substitučnú enzýmovú terapiu (SET),
- bez ohľadu na vek u pacientov s Niemann-Pickovou chorobou typu C, ktorá môže byť smrteľná a pri ktorej sa glykosfingolipidy hromadia v bunkách v mozgu a na iných miestach v tele. Liek Zavesca sa používa na liečbu neurologických príznakov ochorenia (príznaky ovplyvňujúce mozog a nervy). Medzi tieto príznaky patrí strata koordinácie, problémy s tzv. sakadickými (rýchlymi) pohybmi očí, ktoré môžu viesť k poruchám videnia, oneskorený vývoj, ťažkosti s prehítaním, znížený svalový tonus, záchvaty a ťažkosti s učením.



Kedže počet pacientov s týmito ochoreniami je nízky, považujú sa za tzv. ojedinelé ochorenia a liek Zavesca bol 18. októbra 2000 označený za liek na ojedinelé ochorenia pre Gaucherovu chorobu typu 1 a 16. februára 2006 za liek na ojedinelé ochorenia pre Niemann-Pickovu chorobu typu C.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Zavesca užíva?

Liečbu liekom Zavesca majú začať a sledovať lekári, ktorí majú skúsenosti s liečením Gaucherovej choroby alebo Niemann-Pickovej choroby typu C.

Odporúčaná počiatočná dávka pre Gaucherovu chorobu typu 1 je jedna kapsula podávaná trikrát denne. V prípade Niemann-Pickovej choroby typu C sú to dve kapsule podávané trikrát denne pacientom vo veku 12 rokov a starším, pričom u mladších pacientov dávka závisí od telesnej výšky a hmotnosti. Liek Zavesca je určený na dlhodobé užívanie.

U pacientov so zníženou funkciou obličiek sa má použiť nižšia dávka. Dávka sa má takisto dočasne znížiť u pacientov, u ktorých sa objaví hnačka. Viac informácií sa nachádza v súhrne charakteristických vlastností lieku (súčasť správy EPAR).

Akým spôsobom liek Zavesca účinkuje?

Miglustat, účinná látka v lieku Zavesca, bráni pôsobeniu enzýmu nazývaného glukozylceramidsyntáza. Tento enzým sa podieľa na prvej fáze tvorby glykosfingolipidov. Miglustat tým, že bráni pôsobeniu tohto enzýmu, môže znižovať tvorbu glykosfingolipidov v bunkách. Predpokladá sa, že týmto sa spomalia príznaky Gaucherovej choroby typu 1 alebo sa zamedzí ich vzniku a zmiernia sa príznaky Niemann-Pickovej choroby typu C.

Ako bol liek Zavesca skúmaný?

V prípade Gaucherovej choroby typu 1 bol liek Zavesca skúmaný v jednej hlavnej štúdií zahŕňajúcej 28 dospelých osôb s miernou až stredne závažnou chorobou, ktorí nemohli alebo nechceli dostávať substitučnú enzýmovú terapiu. Hlavná časť štúdie trvala jeden rok, 13 pacientov však pokračovalo v užívaní lieku počas ďalších dvoch rokov. V štúdií sa skúmal účinok lieku Zavesca na veľkosť pečene a sleziny a na krvný obraz, napr. na hladiny hemoglobínu (proteínu nachádzajúceho sa v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v tele) a počet krvných doštičiek (zložky, ktoré sa podieľajú na zrážanlivosti krvi).

V prípade Niemann-Pickovej choroby typu C bol liek Zavesca skúmaný v jednej hlavnej štúdií zahŕňajúcej 31 pacientov, z ktorých 12 bolo mladších ako 12 rokov. V štúdií sa porovnávali účinky lieku Zavesca po pridaní k bežnej liečbe s účinkami samotnej bežnej liečby. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena rýchlosti, akou pacienti vykonávali sakadické horizontálne pohyby očí po jednom roku, ale štúdia zároveň skúmala aj ďalšie neurologické príznaky, ako napríklad schopnosť pacientov prehĺtať a ich rozumové funkcie. Niektorí pacienti dostávali liečbu až päť a pol roka. Spoločnosť tiež predložila výsledky prieskumu u 66 pacientov liečených liekom Zavesca.

Aký prínos preukázal liek Zavesca v týchto štúdiách?

V štúdií skúmajúcej Gaucherovu chorobu typu 1 bolo po jednom roku pozorované stredne veľké zmenšenie objemu pečene (zmenšenie o 12 %) a sleziny (zmenšenie o 19 %). Nastalo tiež malé zlepšenie krvného obrazu: úroveň hemoglobínu sa v priemere zvýšila o 0,26 g na deciliter a počet krvných doštičiek sa zvýšil o 8,29 mil. na mililiter. Prínosy lieku Zavesca sa zachovali počas vyše troch rokov nepretržitej liečby.

V štúdií skúmajúcej Niemann-Pickovu chorobu typu C bolo zlepšenie v pohyboch očí porovnateľné u pacientov, ktorí užívali liek Zavesca s pacientmi, ktorí liek neužívali. U pacientov užívajúcich liek Zavesca sa však preukázali príznaky zlepšenia schopnosti prehítať a rozumovej funkcie. Z výsledkov prieskumu vyplynulo, že liek Zavesca viedol k stabilizácii alebo zníženiu miery zhoršovania príznakov u približne troch štvrtín pacientov.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Zavesca?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Zavesca (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú úbytok na hmotnosti, znížená chuť do jedla, tremor (chvenie), hnačka, flatulencia (plynatosť) a abdominálna bolesť (bolesť žalúdka). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Zavesca sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Zavesca nesmú užívať osoby, ktoré sú precitlivené (alergické) na miglustat alebo na inú zložku lieku.

Prečo bol liek Zavesca povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínos lieku Zavesca je väčší než riziká spojené s jeho užívaním, a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Liek Zavesca bol pôvodne povolený za tzv. mimoriadnych okolností, pretože uvedené choroby sú zriedkavé a v čase povolenia bolo dostupné len obmedzené množstvo údajov. Keďže spoločnosť predložila ďalšie požadované informácie, tieto tzv. mimoriadne okolnosti sa 23. augusta 2012 skončili.

Ďalšie informácie o lieku Zavesca:

Dňa 20. novembra 2002 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Zavesca na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Zavesca sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Zavesca, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Zavesca sa nachádza na webovej stránke agentúry [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [Gaucherova choroba](#),
- [Niemann-Pickova choroba typu C](#).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 08-2012